# Nota Técnica 579772

Data de conclusão: 29/09/2026 17:32:29

## Paciente

**Nome:** [redacted]

**Data de Nascimento:** 24/10/2017

**Idade:** 8 anos

**Sexo:** Feminino

**Cidade:** Piracicaba/SP

## Dados do Advogado do Autor

**Nome do Advogado:** -

**Número OAB:** -

**Autor está representado por:** -

## Dados do Processo

**Número do Processo:** 5001711-89.2026.4.03.6703

**Esfera/Órgão:** Justiça Federal

**Vara/Serventia:** 6º Núcleo de Justiça 4.0

## Tecnologia 579772

**CID:** K76.8 - Outras doenças especificadas do fígado

**Diagnóstico:** Colestase familiar intra-hepática do tipo 3 (PFIC-3)

**Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s):** Relatório médico
Exame genético na página
Anátomo patológico na página 04
Colangiorressonância na página 05

## Descrição da Tecnologia

**Tipo da Tecnologia:** Medicamento

**Registro na ANVISA?** Sim

**Situação do registro:** Válido

**Nome comercial:** -

**Princípio Ativo:** ODEVIXIBATE SESQUI-HIDRATADO

**Via de administração:** via oral

**Posologia:** comprimido 200 mcg - 1 cp 2 x dia

**Uso contínuo?** Sim

**Duração do tratamento:** dia(s)

**Indicação em conformidade com a aprovada no registro?** Não

**Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante?** Não

**O medicamento está inserido no SUS?** Não

**Oncológico?** Não

## Outras Tecnologias Disponíveis

**Tecnologia:** ODEVIXIBATE SESQUI-HIDRATADO

**Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar:** Opções disponíveis no SUS: ácido ursodesoxicólico, rifampicina e ondansetrona.

**Existe Genérico?** Não

**Existe Similar?** Não

## Custo da Tecnologia

**Tecnologia:** ODEVIXIBATE SESQUI-HIDRATADO

**Laboratório:** BEAUFOUR IPSEN FARMACÊUTICA LTDA

**Marca Comercial:** BYLVAY

**Apresentação:** 200 MCG CAP DURA CT FR PLAS PEAD OPC X 30

**Preço de Fábrica:** 23.667,25

**Preço Máximo de Venda ao Governo:** 18.571,69

**Preço Máximo ao Consumidor:** 41.232,16

## Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

**Tecnologia:** ODEVIXIBATE SESQUI-HIDRATADO

**Dose Diária Recomendada:** 3 cápsulas

**Preço Máximo de Venda ao Governo:** 55.715,07

**Preço Máximo ao Consumidor:** 123.696,48

**Fonte do custo da tecnologia:** Custo anual estimado R$ 687.152,53 (valor baseado no PMVG) Tabela CMED

## Evidências e resultados esperados

**Tecnologia:** ODEVIXIBATE SESQUI-HIDRATADO

**Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:** A colestase intra-hepática familiar progressiva tipo 3 (PFIC tipo 3) é uma doença genética rara, pertencente ao espectro das colestases hereditárias da infância. A PFIC, em conjunto, tem incidência estimada em cerca de 1:50.000 a 1:100.000 nascidos vivos, mas a frequência específica da PFIC tipo 3 é menos bem definida, e não há dados epidemiológicos brasileiros consistentes. Na PFIC3, o defeito central envolve o gene ABCB4, responsável pela proteína MDR3, transportadora de fosfatidilcolina para a bile. A redução desse fosfolipídio torna a bile mais tóxica para o epitélio biliar, favorecendo colestase, inflamação ductal, fibrose e progressão para cirrose. Em comparação com outros subtipos, a PFIC3 costuma cursar com gama-glutamiltransferase elevada, o que ajuda na suspeita clínica.

O quadro clínico pode surgir da infância à adolescência, com intensidade variável. São comuns prurido, icterícia, hepatomegalia, elevação de enzimas hepáticas, atraso pôndero-estatural em alguns casos e evolução para doença hepática crônica. Entre os fatores associados a pior evolução estão variantes genéticas mais graves, início precoce, colestase persistente e fibrose progressiva. Em parte dos pacientes, o prurido é um dos sintomas de maior impacto clínico, com prejuízo importante do sono, do comportamento e da qualidade de vida. Na fisiopatologia do prurido colestático infantil, diversos mediadores vêm sendo implicados, incluindo ácidos biliares e autotaxina, embora o mecanismo não seja completamente esclarecido.

Os diagnósticos diferenciais incluem outras causas de colestase crônica da infância, sobretudo outras formas de PFIC, síndrome de Alagille, erros inatos da síntese de ácidos biliares, colestase por mutações em ATP8B1 ou ABCB11, doenças metabólicas, hepatopatias autoimunes e causas obstrutivas ou malformativas. A distinção entre PFIC3 e outros subtipos hereditários depende da integração entre quadro clínico, perfil laboratorial, histologia e teste molecular. A presença de GGT elevada, ao contrário do que ocorre nas formas clássicas de PFIC1 e PFIC2, favorece PFIC3, embora não seja exclusiva.

Quanto ao tratamento, a primeira linha na PFIC3 é o ácido ursodesoxicólico (UDCA), porque parte dos pacientes apresenta resposta bioquímica e clínica, sobretudo quando ainda não há doença avançada. Medidas de suporte nutricional, suplementação de vitaminas lipossolúveis e manejo do prurido também são relevantes. Nos casos refratários, podem ser utilizados fármacos antipruriginosos, e, em pacientes selecionados, procedimentos de desvio biliar externo parcial ou outras abordagens cirúrgicas podem ser considerados. Quando há progressão para cirrose descompensada, falência hepática ou prurido intratável, o transplante hepático permanece como tratamento definitivo.

O odevixibate é um inibidor do transportador ileal de ácidos biliares, com redução da

recirculação entero-hepática e consequente diminuição da carga de ácidos biliares. Atualmente, o medicamento possui aprovação regulatória ampla para PFIC: nos Estados Unidos, para tratamento do prurido em pacientes com PFIC a partir de 3 meses de idade; e, na União Europeia, para tratamento da PFIC em pacientes a partir de 6 meses. As bulas e documentos regulatórios não restringem a indicação a um único subtipo, abrangendo, em princípio, também a PFIC3.

**Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:** Na PFIC tipo 3, o ácido ursodesoxicólico constitui a terapia medicamentosa de primeira linha e pode ser eficaz em parcela relevante dos pacientes com variantes em ABCB4. Seu efeito relaciona-se ao aumento do fluxo biliar e à modificação da composição da bile, com redução de sua toxicidade sobre o epitélio biliar. Além disso, o fármaco pode favorecer a secreção hepatobiliar e contribuir para redução da inflamação canalicular, com possível melhora dos parâmetros bioquímicos e do prurido. A resposta terapêutica, contudo, é variável e tende a ser mais limitada nos casos com doença mais avançada.
O odevixibate é um fármaco recente indicado para o tratamento do prurido em pacientes com PFIC. Trata-se de um inibidor do transportador ileal de ácidos biliares, que reduz a reabsorção intestinal desses compostos, levando à diminuição da circulação entero-hepática e, consequentemente, dos níveis séricos de ácidos biliares, com melhora do prurido. As principais evidências de eficácia derivam de ensaio clínico randomizado e estudo de extensão conduzidos predominantemente em pacientes com PFIC tipos 1 e 2, nos quais foi demonstrada redução significativa do prurido e dos níveis de ácidos biliares.
Esses estudos não incluíram comparação direta com o tratamento padrão atualmente utilizado, seja clínico ou cirúrgico, o que limita a avaliação de superioridade terapêutica. Além disso, a resposta ao odevixibate depende da integridade da circulação entero-hepática e do funcionamento dos mecanismos de transporte biliar, o que pode impactar sua eficácia em determinados subgrupos de pacientes. No contexto da PFIC tipo 3, a evidência disponível é limitada. Embora o mecanismo de ação do odevixibate seja teoricamente aplicável, os dados clínicos específicos para esse subtipo são escassos, com pequeno número de pacientes incluídos em coortes heterogêneas ou relatos isolados.
Assim, as evidências para PFIC tipo 3 baseiam-se principalmente em estudos observacionais, séries de casos e análises de mundo real, que sugerem possível redução dos níveis séricos de ácidos biliares e melhora do prurido. No entanto, esses estudos apresentam limitações importantes, incluindo ausência de grupo controle, tamanho amostral reduzido, curta duração de seguimento e potencial risco de vieses, o que impede conclusões robustas quanto à eficácia e segurança nesse subtipo específico.
Além disso, não há evidência de alta qualidade de que o odevixibate modifique o curso natural da doença, reduza a progressão para insuficiência hepática ou diminua a necessidade de transplante hepático. Os benefícios demonstrados até o momento concentram-se sobretudo no controle do prurido e na redução dos ácidos biliares séricos, sem comprovação robusta de impacto sobre desfechos clínicos maiores.

**Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante:** Não avaliada

## Conclusão

**Tecnologia:** ODEVIXIBATE SESQUI-HIDRATADO

**Conclusão Justificada:** Não favorável

**Conclusão:** CONSIDERANDO o diagnóstico de colestase familiar intra-hepática (PFIC) tipo 4, que cursa com colestase e prurido, conforme relatório médico acostado ao processo.
CONSIDERANDO o relato de uso prévio de rifampicina, ácido ursodesoxicólico e fenobarbital, sem informação sobre as doses utilizadas e tempo de tratamento, o que impede caracterizar de forma adequada a falha terapêutica a essas medicações.
CONSIDERANDO a ausência de parecer da CONITEC quanto a tecnologia pleiteada na situação clínica do demandante.
CONSIDERANDO que não há evidência robusta disponível na literatura para sustentar o uso do odevixibat na PFIC tipo 4, uma vez que os dados existentes se restringem a séries de casos e relatos isolados, sem ensaios clínicos controlados que comprovem eficácia e segurança nesse subtipo.
CONSIDERANDO que não há dados de segurança a longo prazo do uso do medicamento pleiteado.
CONSIDERANDO ainda, a ausência do teste genético realizado, nos documentos acostados.
CONCLUI-SE que em razão das informações disponíveis NÃO HÁ ELEMENTOS para sustentar a indicação de ODEVIXIBATE no caso em análise na presente situação. NÃO HÁ elementos para considerar o caso uma urgência médica.
CONSIDERANDO que não há evidência de que a medicação pleiteada  modifique o curso natural da doença.
CONSIDERANDO que não há dados de segurança a longo prazo do uso do medicamento pleiteado.
CONCLUI-SE que em razão das informações disponíveis NÃO HÁ ELEMENTOS para sustentar a indicação de ODEVIXIBATE no caso em análise na presente situação. NÃO HÁ elementos para considerar o caso uma urgência médica.

**Há evidências científicas?** Não

**Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM?** Não

**Referências bibliográficas:** Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Odevixibat para o tratamento de colestase intra-hepática familiar progressiva: alerta de monitoramento do horizonte tecnológico. Brasília: Ministério da Saúde; 2022.
Cariello M, Piccinin E, Garcia-Irigoyen O, Sabbà C, Moschetta A. Nuclear receptor FXR, bile acids and liver damage: Introducing the progressive familial intrahepatic cholestasis with FXR mutations. Biochim Biophys Acta Mol Basis Dis. 2018 Apr;1864(4 Pt B):1308-1318. doi: 10.1016/j.bbadis.2017.09.019. Epub 2017 Sep 29. PMID: 28965883.
Kremer AE, Gonzales E, Schaap FG, Oude Elferink RP, Jacquemin E, Beuers U. Serum Autotaxin Activity Correlates With Pruritus in Pediatric Cholestatic Disorders. J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2016 Apr;62(4):530-5. doi: 10.1097/MPG.0000000000001044. PMID: 26628447.
Thébaut A, Debray D, Gonzales E. Physiopathologie et prise en charge thérapeutique du prurit cholestatique de l'enfant [Physiopathology and management of cholestatic pruritus in children]. Arch Pediatr. 2017 Jul;24(7):682-688. French. doi: 10.1016/j.arcped.2017.04.004. Epub 2017 Jun 3. PMID: 28583778.
Sambrotta M, Strautnieks S, Papouli E, et al. Mutations in TJP2 cause progressive cholestatic liver disease. Nat Genet. 2014;46(4):326-8.
Thébaut A, Debray D, Gonzales E. An update on the physiopathology and therapeutic management of cholestatic pruritus in children. Clin Res Hepatol Gastroenterol. 2018

Apr;42(2):103-109. doi: 10.1016/j.clinre.2017.08.007. Epub 2017 Oct 12. PMID: 29031874.
Hüpper MN, Pichler J, Huber WD, Heilos A, Schaup R, Metzelder M, Langer S. Surgical versus Medical Management of Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis-Case Compilation and Review of the Literature. Children (Basel). 2023 May 26;10(6):949. doi: 10.3390/children10060949. PMID: 37371180; PMCID: PMC10297335
Di Giorgio A, Sciveres M, Fuoti M, Sonzogni A, Mandato C, D'Antiga L. Treatment with an ileal bile acid transporter inhibitor in patients with TJP2 deficiency. Clin Res Hepatol Gastroenterol. 2023 Oct;47(8):102185. doi: 10.1016/j.clinre.2023.102185. Epub 2023 Jul 26. PMID: 37499899.
Slavetinsky C, Sturm E. Odevixibat and partial external biliary diversion showed equal improvement of cholestasis in a patient with progressive familial intrahepatic cholestasis. BMJ Case Rep. 2020 Jun 29;13(6):e234185. doi: 10.1136/bcr-2019-234185. PMID: 32601135; PMCID: PMC7326258.
Flattmann FE, Mohiuddin FS, Singh A, Tandon A, Lockett SJ, Hirsch JD, Mosieri CN, Kaye AM, Varrassi G, Ahmadzadeh S, Shekoohi S, Kaye AD. Odevixibat: A Novel Bile Salt Inhibitor Treatment for Pruritus in Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis. Cureus. 2024 Mar 25;16(3):e56886. doi: 10.7759/cureus.56886. PMID: 38659510; PMCID: PMC11042757.
Baumann U, Sturm E, Lacaille F, Gonzalès E, Arnell H, Fischler B, Jørgensen MH, Thompson RJ, Mattsson JP, Ekelund M, Lindström E, Gillberg PG, Torfgård K, Soni PN. Effects of odevixibat on pruritus and bile acids in children with cholestatic liver disease: Phase 2 study. Clin Res Hepatol Gastroenterol. 2021 Sep;45(5):101751. doi: 10.1016/j.clinre.2021.101751. Epub 2021 Jun 26. PMID: 34182185.
Di Giorgio A, Sciveres M, Fuoti M, Calvo P, Cananzi M, Lleo A, Gatti S, Indolfi G, Madeo A, Mandato C, Nuti F, Zanchi C, Carioli G, Ghirardi A, Nicastro E, D'Antiga L. Real-world experience with odevixibat in children with progressive familial intrahepatic cholestasis. JHEP Rep. 2024 Dec 19;7(4):101309. doi: 10.1016/j.jhepr.2024.101309. PMID: 40143945; PMCID: PMC11937657.

**NatJus Responsável:** Nacional

**Instituição Responsável:** Hospital Israelita Albert Einstein

**Nota técnica elaborada com apoio de tutoria?** Não

**Outras Informações:** Em atenção ao Tema 6 do STF e seu 4º requisito, considera-se que uma tecnologia possui evidência científica quando está embasada em: 1) ensaios clínicos randomizados, 2) revisões sistemáticas ou 3) meta-análises. Caso não atenda a esses critérios, será considerada sem evidência científica.
Foram identificados documentos visando caracterizar a incapacidade financeira de arcar com o custeio do medicamento na página 13.
Foi identificado nos anexos documentação comprobatória de negativa administrativa de fornecimento da tecnologia solicitada por entidade pública vinculada ao SUS na página 17.
Venho em atenção aos quesitos colocados por Vossa Excelência responder conforme exposto à seguir:
1-Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?
Não foi identificada decisão final de incorporação do odevixibate ao SUS para PFIC. A tecnologia encontra-se em processo de avaliação pela CONITEC para pacientes com PFIC a partir de 6 meses.
2-Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores à avaliação pelo órgão?

Não se aplica, uma vez que não foi identificada, até o momento, decisão final da CONITEC contrária à incorporação para essa indicação. Não há ensaios clínicos randomizados de alto nível específicos para PFIC tipo 4.
3-A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?
Não há PCDT específico para PFIC. Há relato de uso prévio de ácido ursodesoxicólico, rifampicina e fenobarbital, mas não foram informadas doses e duração dos tratamentos, não é possível caracterizar adequadamente falha terapêutica ou esgotamento das alternativas.
4- Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?
O odevixibate é aprovado pela ANVISA para o tratamento da colestase intra-hepática familiar progressiva (PFIC) em pacientes com 6 meses ou mais.
5- A indicação específica para o quadro da parte autora consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?
Sim. A indicação aprovada contempla PFIC em pacientes com 6 meses ou mais, sem restrição, na indicação registrada, aos subtipos PFIC 1 e 2.
6- Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento?
Não. Considerando o diagnóstico informado de PFIC e idade igual ou superior a 6 meses, o uso encontra-se dentro da indicação aprovada pela ANVISA.
7- Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?
Não. O ensaio clínico Fase III PEDFIC 1, randomizado e controlado por placebo, incluiu pacientes com PFIC tipos 1 e 2, não fornece evidência randomizada específica para PFIC tipo 4.
8-Os estudos disponíveis demonstram:
a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS?
Não há estudos comparativos de adequada qualidade metodológica demonstrando superioridade do odevixibate sobre as alternativas terapêuticas disponíveis no SUS especificamente na PFIC tipo 4.
b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo?
Não. Os estudos disponíveis não foram desenhados nem apresentam demonstração de ganho estatisticamente significativo de sobrevida global.
c) Ganho de sobrevida livre de progressão?
Não demonstrado. Esse não constitui desfecho estabelecido nos estudos disponíveis de odevixibate para PFIC tipo 4.
d) Melhora de qualidade de vida mensurável?
Há relatos de melhora de prurido e de manifestações relacionadas ao sono em séries de casos e estudos observacionais, porém não há evidência robusta de melhora de qualidade de vida por desfechos validados especificamente na PFIC tipo 4.
9- O esquema proposto está em conformidade com:
a) Protocolos internacionais reconhecidos?
Não há protocolo internacional de alta qualidade que estabeleça, com base em ensaios controlados, um esquema específico para PFIC tipo 4.
b) Bula aprovada pela ANVISA?
A bula para PFIC recomenda 40 mcg/kg, uma vez ao dia, pode ser aumentada para 120 mcg/kg/dia após 3 meses em caso de resposta insuficiente, até a dose máxima prevista. A conformidade do esquema prescrito depende da dose constante na prescrição apresentada.
c) Literatura científica de qualidade?
A posologia encontra respaldo nos estudos de odevixibate em PFIC; entretanto, a evidência de

maior qualidade deriva predominantemente de pacientes com PFIC tipos 1 e 2. Para PFIC tipo 4, os dados permanecem limitados a estudos observacionais e séries de casos.
10-Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS?
Não há dados que permitam estabelecer ou comparar taxas de sobrevida global entre odevixibate e os tratamentos disponíveis no SUS para PFIC tipo 4.
11- Qual a taxa de sobrevida global do medicamento em relação aos demais tratamentos já realizados pela parte autora?
Não há dados científicos que permitam estabelecer essa comparação. Os estudos disponíveis não demonstraram benefício de sobrevida global do odevixibate em relação a ácido ursodesoxicólico, rifampicina ou fenobarbital.

**Complementação de Nota Técnica:** DESPACHO

Vistos.

Razão assiste à parte autora, ao menos em parte.

A nota técnica natjus considerou, nas suas primeiras páginas, o diagnóstico da parte autora como colestase intra-hepática familiar progressiva 3, mas a documentação médica indica, em princípio, diagnóstico de PFIC tipo 4.

É bem verdade que, na conclusão, constou o diagnóstico correto - tipo 4. Entretanto, para dirimir quaisquer dúvidas e evitar eventuais alegações de nulidade, solicite-se a complementação da nota técnica, encaminhando ao natjus novamente os documentos médicos da parte autora.

Int.

SÃO PAULO, 21 de setembro de 2026.

**Há mudança na conclusão?** Não

**Qual a nova conclusão?** -

**Resposta para a Complementação:** Em atenção à determinação judicial, esclarece-se que o diagnóstico da parte autora, conforme documentação médica apresentada, é de colestase intra-hepática familiar progressiva tipo 4 (PFIC 4).
A referência à PFIC tipo 3 nas considerações iniciais da nota técnica anterior constitui erro material, uma vez que o diagnóstico de PFIC tipo 4 foi identificado na conclusão.
Ressalta-se que a PFIC tipo 4 está associada a alterações no gene TJP2 e apresenta características fisiopatológicas distintas das observadas na PFIC tipo 3, associada ao gene ABCB4.

Diagnóstico *
Colestase familiar intra-hepática (PFIC) Tipo 4
Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia *
A colestase intra-hepática familiar progressiva refere-se a um conjunto de doenças genéticas raras causadas por mecanismos defeituosos de secreção biliar, era dividida em três subtipos:

PFIC tipo 1, PFIC tipo 2 e PFIC tipo 3.
A PFIC tipo 4 é uma forma recentemente descrita de colestase intra-hepática familiar progressiva, decorrente de mutações bialélicas no gene TJP2, responsável pela proteína ZO-2, que integra as junções oclusivas entre os hepatócitos. A perda desse componente estrutural compromete a integridade da barreira canalicular e favorece o extravasamento de ácidos biliares, e leva a uma colestase de início precoce, geralmente nos primeiros anos de vida. Crianças com PFIC4 costumam apresentar icterícia persistente, níveis muito baixos de GGT, prurido intenso, falha de crescimento e evolução rápida para doença hepática avançada. Em séries de pacientes já descritas, a taxa de progressão para transplante hepático é elevada.
O prurido é uma das manifestações mais incapacitantes da PFIC4 e está relacionado ao acúmulo de ácidos biliares. Seu controle é desafiador, com resposta na maioria das vezes insuficiente às abordagens convencionais. O manejo clínico inclui medidas de suporte, otimização nutricional, suplementação de vitaminas lipossolúveis e uso de ácido ursodesoxicólico, embora o efeito deste último seja limitado em muitos pacientes. Em casos refratários, a severidade do prurido contribui substancialmente para prejuízo no sono, comportamento e qualidade de vida da criança e de sua família.
Diversas medicações têm sido utilizadas no manejo do prurido colestático, apesar da variabilidade na resposta. Entre elas, destacam-se colestiramina, que reduz a recirculação de ácidos biliares ao ligá-los no intestino; rifampicina, que induz enzimas hepáticas e aumenta a depuração de substâncias pruritogênicas; e naltrexona, antagonista opioide que pode aliviar prurido refratário. Fenobarbital, anti-histamínicos e ondansetrona também são utilizados, embora com eficácia mais modesta. Todas essas opções são descritas na literatura para manejo sintomático do prurido colestático.
Pacientes com PFIC que apresentam prurido intratável podem ser candidatos a tratamentos cirúrgicos, como a derivação biliar parcial externa, quando não respondem a terapia medicamentosa. Se o prurido e a disfunção hepática persistirem, o transplante hepático é uma alternativa viável e definitiva, especialmente em casos avançados com progressão para cirrose ou insuficiência hepática. O transplante pode aliviar o prurido severo e melhorar significativamente a qualidade de vida dos pacientes

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia *
O odevixibat é uma nova droga para o tratamento de prurido em pacientes com PFIC. É um inibidor do transportador de sais biliares ileais, que atua reduzindo a reabsorção de sais biliares no intestino e diminui os níveis de ácidos biliares no sangue, e assim alivia os sintomas de prurido. As principais evidências vêm de um ensaio clínico randomizado e de um estudo de extensão, ambos realizados com pacientes com PFIC tipo 1 e 2, nos quais o medicamento mostrou eficácia relevante. Porém, não houve comparação direta com o tratamento padrão atual, seja medicamentoso ou cirúrgico, e faltam dados robustos para outros subtipos de PFIC. A resposta depende da preservação da circulação entero-hepática e do funcionamento da bomba de exportação de sais biliares, o que limita a eficácia em pacientes com ausência completa de BSEP.
Não há evidência robusta para o uso do odevixibat na PFIC tipo 4 . As publicações disponíveis para esse subtipo consistem apenas em séries de casos e embora esses relatos descrevam redução dos níveis séricos de ácidos biliares e melhora do prurido, tratam-se de estudos sem grupo controle, com número reduzido de pacientes, curta duração de seguimento e elevado risco de vieses.
Mesmo a liberação pelo SUS para PFIC tipo 1 e 2 dependem de avaliação formal pela Conitec, que considera eficácia, segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário da incorporação.

Conclusão *

Após a reavaliação da documentação médica e das evidências científicas pertinentes ao diagnóstico de PFIC tipo 4, mantém-se a conclusão da nota técnica anterior, pelos fundamentos expostos.